

再生医療等製品の保険適用について

類 別	遺伝子治療用製品（ウイルスベクター製品）		
成 分 名	デランジストロゲン モキセパルボベク		
収 載 希 望 者	中外製薬（株）		
販 売 名 （規格単位）	エレビジス点滴静注（1患者当たり）		
効 能 ・ 効 果 又 は 性 能	デュシェンヌ型筋ジストロフィー ただし、以下のいずれも満たす場合に限る ・抗AAVrh74抗体が陰性の患者 ・歩行可能な患者 ・3歳以上8歳未満の患者		
主な用法・用量 又は使用方法	通常、体重10kg以上70kg未満の患者には 1.33×10^{14} ベクターゲノム（vg）／kgを、体重70kg以上の患者には 9.31×10^{15} vgを、60分から120分かけて静脈内に単回投与する。本品の再投与はしないこと。		
算 定	算 定 方 式	原価計算方式	
	原 価 計 算	製品総原価	255,230,203円
		営業利益	21,892,710円 (流通経費を除く価格の7.9%)
		流通経費	124,398円 (消費税を除く価格の0.04% (収載希望者から申請のあった実費に基づく額))
		消費税	27,724,731円
	補 正 加 算	市場性加算（I）（A=10%） 加算係数 0 (加算前) (加算後) 1患者当たり 304,972,042円 → 304,972,042円	
		外国平均 価格調整	なし
算 定 薬 価	1患者当たり 304,972,042円		
外 国 価 格		収載希望者による市場規模予測	
(参考) 1患者当たり 米国 3,840,000.00 ドル 572,160,000円 (AWP) 米国 3,200,000.00 ドル 476,800,000円 (WAC) (注1) 為替レートは令和7年1月～令和7年12月の平均 (注2) 米国 (AWP) は従来参照していた RED BOOK の価格 最初に承認された国（年月）： 米国（2023年6月）		予測年度 予測本剤投与患者数 予測販売金額 (ピーク時) 2年度 37人 113億円	
製 造 販 売 承 認 日	令和7年5月13日 ※条件及び期限付き承認	薬価基準収載予定日	令和8年2月20日

薬価算定組織における検討結果のまとめ

算定方式		原価計算方式	第一回算定組織	令和8年2月9日
原価計算方式を採用する妥当性		新 薬	類似薬がない根拠	
	成分名	デランジストロゲン モキセパルボベク		本品と同様の効能・効果を有する既収載品としてはビルトラルセンが存在するが、構造、薬理作用及び投与方法が異なることから、本品に新薬算定最類似薬はないと判断した。
	イ. 効能・効果	デュシェンヌ型筋ジストロフィー		
	ロ. 薬理作用	マイクロジストロフィン遺伝子補充作用		
	ハ. 組成及び化学構造	非増殖性の遺伝子組換えアデノ随伴ウイルスであり、アデノ随伴ウイルス r h 7 4 のカプシドタンパク質を有し、α-ミオシン重鎖クレアチンキナーゼプロモーター/エンハンサーの制御下にデランジストロゲン モキセパルボベク マイクロジストロフィンタンパク質を発現する遺伝子を含む		
	ニ. 投与形態 剤形 用法	注射 注射剤 静脈内単回投与		
補正加算	画 期 性 加 算 (70～120%)	該当しない		
	有用性加算 (Ⅰ) (35～60%)	該当しない		
	有用性加算 (Ⅱ) (5～30%)	該当しない		
	市場性加算 (Ⅰ) (10～20%)	該当する (A=10%) ----- 本剤は希少疾病用再生医療等製品に指定されていることから、加算の要件を満たす。		
	市場性加算 (Ⅱ) (5%)	該当しない		
	特 定 用 途 加 算 (5～20%)	該当しない		
	小 児 加 算 (5～20%)	該当しない		
	先 駆 加 算 (10～20%)	該当しない		
	迅 速 導 入 加 算 (5～10%)	該当しない		
新薬創出・適応外薬 解消等促進加算		該当する (主な理由：希少疾病用再生医療等製品として指定)		
費用対効果評価への 該 当 性		該当しない ※改めて承認を受けた際にその該当性を判断する		
当初算定案に対する 新薬収載希望者の 不 服 意 見 の 要 点				
上 記 不 服 意 見 に 対 す る 見 解		第二回算定組織	令和 年 月 日	

製品概要

販売名	エレビジス点滴静注																																											
使用目的	本品は、ヒトジストロフィンタンパク質の機能を維持するために必須のドメインのみを保持した短縮型ジストロフィン（デランジストロゲン モキセパルボベク マイクロジストロフィン、以下、「マイクロジストロフィン」）をコードする遺伝子を搭載した非増殖性組換えアデノ随伴ウイルスを成分とする再生医療等製品である。静脈内に投与された本品が患者の骨格筋細胞及び心筋細胞に感染することにより、本品に搭載された遺伝子発現構成体が細胞の核内にエピソームとして留まるとともに、心筋、呼吸筋及び骨格筋内で機能的なマイクロジストロフィンタンパク質を発現する。発現したマイクロジストロフィンタンパク質により筋細胞膜が安定化し、筋破壊を防ぐことで筋肉の減少を防ぎ、筋機能を改善することが期待される。																																											
主な使用方法	【用法及び用量又は使用方法】 通常、体重 10kg 以上 70kg 未満の患者には 1.33×10 ¹⁴ ベクターゲノム(vg)/kg を、体重 70kg 以上の患者には 9.31×10 ¹⁵ vg を、60 分から 120 分かけて静脈内に単回投与する。本品の再投与はしないこと。本品の投与量は下記表に基づき算出する。（表略）																																											
主な有用性	<p>○ 4 歳以上 8 歳未満の男児のデュシェンヌ型筋ジストロフィー患者を対象に、本品の有効性及び安全性を検討することを目的としたプラセボ対照無作為化二重盲検比較試験（国際共同第Ⅲ相試験）では、主要評価項目である、NSAA 総スコアのベースラインから本品投与後 52 週までの変化量について、調整済み平均値の群間差 [95%CI] は 0.65 [−0.45, 1.74] であり、統計的に有意な差は認められなかった一方で、運動機能の評価項目について、床上起き上がり時間、10 m 歩行/走行時間及び 4 段階段昇り時間に関して本品群ではプラセボ群と比較して改善が認められた。</p> <p>運動機能評価項目のベースラインから本品投与後 52 週までの変化量 (301 試験パート 1、mITT 集団、2023 年 9 月 13 日データカットオフ)</p> <table><tr><td></td><td>本品群 (63 例)</td><td>プラセボ群 (62 例)</td></tr><tr><td rowspan="3">床上起き上がり時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>3.52±0.81 (63 例)</td><td>3.60±0.68 (62 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>−0.26±0.95 (63 例)</td><td>0.39±1.39 (61 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">−0.64 [−1.06, −0.23]</td></tr><tr><td rowspan="3">10 m 歩行/走行時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>4.82±0.79 (63 例)</td><td>4.92±0.73 (62 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>−0.34±0.69 (63 例)</td><td>0.09±1.03 (61 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">−0.42 [−0.71, −0.13]</td></tr><tr><td rowspan="3">100 m 歩行/走行時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>60.67±15.55 (63 例)</td><td>63.01±17.01 (59 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>−6.65±14.54 (59 例)</td><td>−4.18±18.46 (57 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">−3.29 [−8.28, 1.70]</td></tr><tr><td rowspan="3">4 段階段昇り時間 (秒)</td><td>ベースライン</td><td>3.17±1.01 (63 例)</td><td>3.37±1.09 (61 例)</td></tr><tr><td>投与後 52 週までの変化量</td><td>−0.41±0.85 (62 例)</td><td>−0.12±1.28 (60 例)</td></tr><tr><td>調整済み平均値の群間差* [95%CI]</td><td colspan="2">−0.36 [−0.71, −0.01]</td></tr></table> <p>平均値±標準偏差 *: 投与群、年齢、時点、投与群と時点の交互作用、スクリーニング時の NSAA 総スコア、副次評価項目のベースライン値、副次評価項目のベースライン値と時点の交互作用を共変量とし、分散共分散構造として無構造を仮定した反復測定混合効果モデル</p> <p>○ 臨床試験（海外第Ⅰ/Ⅱa 相試験、海外第Ⅱ相試験及び海外Ⅰb 相試験コホート 1）で本品 1.33×10¹⁴vg/kg を投与された患者における本品投与後 3 年時点の NSAA 総スコア、床上起き上がり時間及び 10m 歩行/走行時間について、外部対照（3つの臨床研究のデータから、本品の臨床試験の組入れ基準に合致した患者を抽出）と比較した結果、本品投与後の患者では、外部対照と比較して運動機能の低下は緩徐であり、その群間差は時間経過に伴い大きくなる傾向が認められた。</p>		本品群 (63 例)	プラセボ群 (62 例)	床上起き上がり時間 (秒)	ベースライン	3.52±0.81 (63 例)	3.60±0.68 (62 例)	投与後 52 週までの変化量	−0.26±0.95 (63 例)	0.39±1.39 (61 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−0.64 [−1.06, −0.23]		10 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	4.82±0.79 (63 例)	4.92±0.73 (62 例)	投与後 52 週までの変化量	−0.34±0.69 (63 例)	0.09±1.03 (61 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−0.42 [−0.71, −0.13]		100 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	60.67±15.55 (63 例)	63.01±17.01 (59 例)	投与後 52 週までの変化量	−6.65±14.54 (59 例)	−4.18±18.46 (57 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−3.29 [−8.28, 1.70]		4 段階段昇り時間 (秒)	ベースライン	3.17±1.01 (63 例)	3.37±1.09 (61 例)	投与後 52 週までの変化量	−0.41±0.85 (62 例)	−0.12±1.28 (60 例)	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−0.36 [−0.71, −0.01]	
	本品群 (63 例)	プラセボ群 (62 例)																																										
床上起き上がり時間 (秒)	ベースライン	3.52±0.81 (63 例)	3.60±0.68 (62 例)																																									
	投与後 52 週までの変化量	−0.26±0.95 (63 例)	0.39±1.39 (61 例)																																									
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−0.64 [−1.06, −0.23]																																										
10 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	4.82±0.79 (63 例)	4.92±0.73 (62 例)																																									
	投与後 52 週までの変化量	−0.34±0.69 (63 例)	0.09±1.03 (61 例)																																									
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−0.42 [−0.71, −0.13]																																										
100 m 歩行/走行時間 (秒)	ベースライン	60.67±15.55 (63 例)	63.01±17.01 (59 例)																																									
	投与後 52 週までの変化量	−6.65±14.54 (59 例)	−4.18±18.46 (57 例)																																									
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−3.29 [−8.28, 1.70]																																										
4 段階段昇り時間 (秒)	ベースライン	3.17±1.01 (63 例)	3.37±1.09 (61 例)																																									
	投与後 52 週までの変化量	−0.41±0.85 (62 例)	−0.12±1.28 (60 例)																																									
	調整済み平均値の群間差* [95%CI]	−0.36 [−0.71, −0.01]																																										
承認条件	1. 条件及び期限付承認後に改めて行う本品の製造販売承認申請までの期間中は、本品の長期の有効性及び安全性の確認を目的とした臨床試験並びに本品を使用する全症例を対象とした製造販売後調査により製造販売後承認条件評価を行うこと。 2. デュシェンヌ型筋ジストロフィーに関する十分な知識及び経験を有する医師が、本品の臨床試験成績及び有害事象等の知識を十分に習得した上で、デュシェンヌ型筋ジストロフィーの治療に係る体制が整った医療機関において、「効能、効果又は性能」並びに「用法及び用量又は使用方法」を遵守して本品を用いるよう、関連学会との協力により作成された適正使用指針の周知等、必要な措置を講ずること。 3. 「遺伝子組換え生物等の使用等の規制による生物の多様性の確保に関する法律（平成 15 年法律第 97 号）」に基づき承認された第一種使用規程を遵守して本品を用いるよう、その使用規程の周知等、必要な措置を講ずること。																																											